



**MINISTERIO DE SALUD
DIVISIÓN JURÍDICA**

JMC/YMB/SMS



**APRUEBA PROTOCOLO PARA
TRATAMIENTO CON ONASEMNOGEN
ABEPARVOCEC PARA PERSONAS CON
ATROFIA MUSCULAR ESPINAL TIPO 1.**

EXENTA N° 1574,

SANTIAGO, 24 NOV 2023

VISTOS: Lo dispuesto en el D.F.L. N° 1, de 2005, del Ministerio de Salud, que fija el texto refundido, coordinado y sistematizado del D.L. N° 2763/79 y de las leyes N°18.933 y N°18.469; en el Decreto N° 136, de 2005, del Ministerio de Salud, que aprueba el Reglamento Orgánico del Ministerio de Salud; Resoluciones Exenta N° 537, 970 y 1342 de la Subsecretaría de Salud Pública; en la Resolución N° 7 y 8, de 2019, de la Contraloría General de la República, y

CONSIDERANDO:

1° Que, al Ministerio de Salud le compete la función que corresponde al Estado de garantizar el libre e igualitario acceso a las acciones de promoción, protección y recuperación de la salud y de rehabilitación de la persona enferma, así como coordinar, controlar y, cuando corresponda, ejecutar tales acciones.

2° Que, a esta Secretaría de Estado le corresponde la función de ejercer la rectoría del sector salud, lo que implica dirigir las actividades que deben llevarse a cabo, estableciendo las pautas y directrices que los organismos que conforman el sector salud, deben seguir en sus respectivos campos de acción. Para cumplir esta labor, el Ministerio de Salud requiere examinar y preparar, sea directamente o en colaboración con el Presidente de la República, una serie de acciones y estrategias para abordar el aumento constante de las indicaciones médicas de tratamientos y medicamentos de alto costo que no cuentan con una cobertura legal adecuada para tratar diversos problemas de salud, y que son realizados por los profesionales que se desempeñan tanto en la red de salud pública como en los prestadores privados del país

3° Que, a través de las Resoluciones Exentas N°s 537, 970 y 1342 de 2023 de la Subsecretaría de Salud Pública, se constituyeron Comisiones Clínicas Asesoras Extraordinarias ad-hoc para la evaluación de diversos casos con el objetivo de proporcionar asesoría técnica experta al Ministerio de Salud, respecto a la indicación del medicamento

Onasemnogen abeparvovec, para Atrofia Muscular Espinal tipo 1, realizando la revisión de cada caso a partir de la evidencia científica disponible.

4° Que, la Atrofia Muscular Espinal (AME) es una enfermedad hereditaria que afecta las motoneuronas de la médula espinal, causando debilidad muscular progresiva, principalmente en áreas cercanas al tronco del cuerpo. Pese a que se divide en cuatro tipos según los logros motores, el tipo 1, el más grave, se manifiesta antes de los 6 meses con alta morbilidad. El diagnóstico se basa en síntomas clínicos y pruebas genéticas, y actualmente no existe cura, solo cuidados estándar para mejorar la calidad de vida, incluyendo nutrición, apoyo respiratorio y rehabilitación para prevenir complicaciones.

5° Que, Onasemnogen abeparvovec, un fármaco biológico altamente especializado, se emplea como terapia para la AME tipo 1 y se administra en una única dosis a lo largo de la vida del paciente. Su mecanismo de acción consiste en introducir una copia funcional del gen SMN1, ausente o disfuncional, mediante un vector adenoasociado para restaurar la producción de la proteína SMN faltante. En Chile, este medicamento (Zolgensma®) obtuvo registro en noviembre de 2022 ante el Instituto de Salud Pública (ISP), con autorización para tratar a pacientes pediátricos menores de 2 años diagnosticados con AME y mutaciones bialélicas en el gen SMN1.

6° Que, la creación de un protocolo se vuelve crucial para establecer pautas claras y procedimientos específicos destinados a los equipos médicos, especialmente a los médicos/as tratantes, con el propósito de guiar el proceso de evaluación de casos clínicos que podrían ser candidatos para recibir el tratamiento con Onasemnogén abeparvovec. El objetivo general de dicho protocolo es proporcionar orientación sobre cómo presentar casos a consideración, además de definir el funcionamiento y los pasos que la subcomisión debe seguir para evaluar, discutir y deliberar sobre estos casos clínicos. Los objetivos específicos por su parte, se enfocan en estandarizar los métodos de presentación y análisis de los casos ante la Subcomisión de evaluación de AME, así como establecer los procedimientos para la comunicación eficaz de la información resultante de esta evaluación tanto al médico tratante como a la familia. Este protocolo está dirigido a profesionales médicos tratantes que atienden a personas diagnosticadas con AME tipo 1 y que consideran la administración del Onasemnogén abeparvovec como opción terapéutica.

7° Que, conforme a lo anterior y de acuerdo a las facultades que me otorga la ley, dicto la siguiente:

RESOLUCIÓN:

1° APRUÉBASE Protocolo para Tratamiento Con Onasemnogen Abeparvocec Para Personas Con Atrofia Muscular Espinal Tipo 1.

2° **DÉJESE CONSTANCIA** que el original del documento que se aprueba por el presente acto administrativo será custodiado por la Oficina de Partes y Gestión Documental del Ministerio de Salud.

3° **PUBLÍQUESE** la presente resolución y Protocolo que se aprueba mediante ella en la página web del Ministerio de Salud, www.minsal.cl, correspondiéndole a la División de Prevención y Control de Enfermedades la responsabilidad de dicha publicación, a contar de la total tramitación de esta última, dejándose constancia en el texto publicado de la individualización de la resolución aprobatoria y el carácter de vigente del documento.

ANÓTESE Y COMUNÍQUESE



DRA. XIMENA AGUILERA SANHUEZA
MINISTRA DE SALUD

DISTRIBUCION:

- Gabinete Sr. Ministra de Salud
- Gabinete Subsecretaría de Salud Pública.
- Gabinete Subsecretaría de Redes Asistenciales
- División de Planificación Sanitaria
- División Jurídica.
- Oficina de Partes.